

難治性疾患克服研究の対象となっている 121 疾患について

主任研究者； 吉良 潤一

疾患名； クロー・フカセ症候群

1. 初代研究班発足から現在までの間の研究成果について（特定疾患の研究班が独自に解明・開発し、本研究事業として公表したもの。なお、原則他の研究事業等に依存していないもの。）

（1）原因究明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	平成 8 年度 納 光弘	クロー・フカセ症候群では形質細胞が産生する VEGF が病態に密接に関連することを明らかにした。	P77
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

（2）発生機序の解明について（画期的又は著しく成果のあったもの）

	時期 及び 班長名（当時）	内容	備考
1	平成 12 年度 納 光弘	異常高値を示す血清 VEGF の生理活性は、本症候群の主要症状を説明できることを動物モデルで証明した。	P53
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

(3) 治療法(予防法を含む)の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1	平成 8-13 年度 納 光弘	MP 療法、ステロイド療法などの有効性を血清 VEGF 値を指標とすることで評価し得た。	
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1	平成 8-13 年度 納 光弘	多発性骨髄腫の治療に準じた間歇的 MP 療法を行うことで、長期予後の改善がもたらされた。	
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

ウ その他根本治療の開発について

	時期 及び 班長名(当時)	内容	備考
1	平成 16 年度 吉良 潤一	自己末梢血幹細胞移植または同種末梢血幹細胞移植を行い、劇的な臨床症状の改善が認められた。	
2			
3			

他の研究事業と分離不可の場合は、不可としその理由を簡単に記載してください。

2. 「1」以外で、国内、国外を問わず、研究成果の現在の主な状況について

(1) 原因究明について(画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1		なし	
2			
3			

(2) 発生機序の解明について(画期的又は著しく成果のあったもの)

	時期	内容	文献
1	1998	クロー・フカセ症候群で血清 VEGF が高値をとることを発見。	Muscle Nerve 21: 1390-7
2			
3			

(3) 治療法(予防法を含む)の開発について

ア 発症を予防し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1		なし	
2			
3			

イ 完治に至らしめることはできないが、進行を阻止し、効果があったもの

	時期	内容	文献
1		なし	
2			
3			

ウ その他根本治療の開発について

	時期	内容	文献
1	2004	自己末梢血幹細胞移植を伴った高用量化学療法が期待されている。	Blood 104, 3400-7
2			
3			

3.現時点において、次の事項について残された主要な課題及び今後の研究スケジュールについて

(1)原因の解明について

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1	本症で VEGF 過剰産生を起こす機序の解明	可能	VEGF 遺伝子プロモーターを活性化する体内物質の同定
2			
3			

(2)発生機序の解明について

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1	個々の症状に対する VEGF の役割を VEGF 過剰産生 Tg マウスを用いて解明する	可能	Tg マウスを作成し現在研究班で検討中
2			
3			

(3)治療法(予防法を含む)の開発

	課 題	解決の可能性	今後の研究スケジュール
1	自己末梢血幹細胞移植を伴った高用量化学療法の基本プロトコールの作成と、その有効性を全国レベルで評価する	可能	基本プロトコールを班として作成する
2			
3			

#### 4. 重症化防止対策について

大多数の患者に対して外来通院によって症状のコントロールが可能な治療法（重症化防止のための治療法）の確立

	重症化防止のための治療法 確立について解決すべき課 題	5年以内に解 決できる可能 性	解決不可能 な場合の理 由	左記理由を解決し ていくスケジュー ル
1	重症度に応じた治療戦略を 確立する	ある程度可能	症例数が多 くはない	治療法に優先順位 をつけ実施する
2				
3				
4				
5				